

Lo studio **I TRANSCEND** è uno studio di fase 2 che valuta la sicurezza, la tollerabilità e l'efficacia di un farmaco sperimentale in adulti affetti da vasculite associata agli anticorpi anti-citoplasmatici dei neutrofili (vasculite ANCA associata). In particolare, lo studio coinvolge pazienti con i vasculite ANCA associata di tipo GPA e MPA.

Sottotipi di vasculite ANCA nello studio I TRANSCEND

GPA: granulomatosi con poliangioite
MPA: poliangioite microscopica

Definizioni della terminologia medica

granuloma: piccolo raggruppamento di globuli bianchi e altri tessuti
-tosi: aumento o eccesso
poliangioite: infiammazione di numerosi vasi
microscopico: visibile solo al microscopio

Informazioni sulla vasculite ANCA associata

La vasculite ANCA-associata è una malattia autoimmune che colpisce i piccoli vasi sanguigni, scatenata dagli ANCA (anticorpi autoimmuni anti-citoplasmatici dei neutrofili). Questi autoanticorpi, facenti parte del sistema immunitario dell'organismo, attaccano i neutrofili, un tipo di globuli bianchi, inducendoli ad attaccare i piccoli vasi sanguigni, causando un'infiammazione nota come vasculite. Questa condizione manifesta sintomi diversi a seconda degli organi coinvolti; i vasi sanguigni della pelle colpiti possono causare eruzioni cutanee, mentre il coinvolgimento dei reni potrebbe portare alla fuoriuscita di sangue e proteine nelle urine e a una riduzione della funzionalità renale. Non tutti i soggetti con vasculite ANCA presentano lo stesso coinvolgimento d'organo e le ragioni di questa differenza rimangono poco chiare.

Cosa c'è da sapere sugli studi di ricerca clinica

Gli studi di ricerca clinica mirano a rispondere a domande specifiche sul funzionamento dei farmaci nei volontari che li assumono. Lei deve sentirsi pienamente consapevole su cosa aspettarsi dalla Sua partecipazione a uno studio di ricerca clinica.

I ricercatori utilizzano gli studi di ricerca clinica per:

- Rispondere a domande specifiche sulla salute
- Ottenere informazioni sulla sicurezza e sugli effetti dei trattamenti dello studio
- Cercare di individuare nuovi modi di utilizzare i farmaci approvati

Tutti gli studi di ricerca clinica sono:

- Sviluppati per tutelare i diritti, la sicurezza e il benessere dei partecipanti
- Condotti secondo rigorosi principi scientifici ed etici, rivisti e approvati da un Comitato etico (CE)

La partecipazione a qualsiasi studio di ricerca clinica è volontaria. Il personale dello studio La informerà sui potenziali rischi e benefici della partecipazione allo studio, nonché sui possibili effetti collaterali. Per prendere una decisione consapevole, ponga ai Suoi professionisti sanitari qualsiasi domanda Lei possa avere.

Durante lo studio, collaborerà con un team di ricerca che potrebbe includere medici dello studio, infermieri dello studio e altri membri del personale di ricerca. Potrebbero essere disponibili rimborsi per il viaggio e i pasti: per informazioni, parli con il Suo medico dello studio.



Studio I Transcend

Studio di fase 2 volto a valutare un farmaco sperimentale in adulti affetti da vasculite associata ad ANCA

ALEXION[®]
AstraZeneca Rare Disease



Informazioni sullo studio I TRANSCEND

La partecipazione allo studio I TRANSCEND può avere una durata massima di [CCI], all'incirca [CCI], e include [CCI] visite dello studio nell'arco dei seguenti periodi:

Periodo di screening: ha una durata di circa [CCI] e include una visita. Il personale dello studio esaminerà la Sua anamnesi medica ed eseguirà esami per verificare se Lei è idoneo/a per lo studio.

Trattamento dello studio: ha una durata di circa [CCI] e include [CCI]. Durante questo periodo, Lei sarà assegnato/a casualmente a un gruppo dello studio per ricevere il farmaco dello studio o un placebo, che assomiglia al farmaco dello studio ma non contiene alcun principio attivo. La probabilità di ricevere il farmaco dello studio è di 2:1

Le prime [CCI] del periodo di trattamento dello studio includono [CCI]. A seconda delle norme vigenti nel Suo Paese, è possibile che alcune visite vengano effettuate a domicilio da un infermiere dello studio o da un membro del personale dello studio della clinica dello studio.

Periodo di follow-up dello studio: tre visite dello studio in ambulatorio nell'arco di [CCI]. La visita durante la [CCI] è la visita finale che pone termine allo studio.

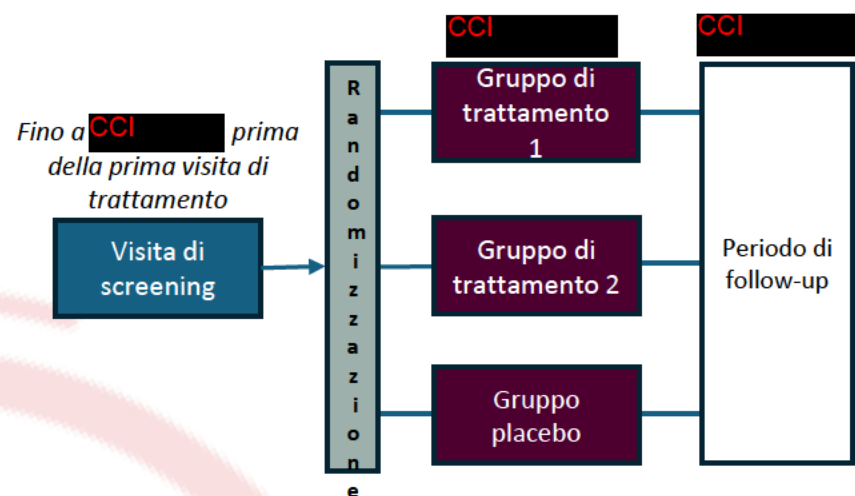
Il medico dello studio La informerà su eventuali trattamenti che Lei sta già effettuando. Il personale dello studio eseguirà le procedure e le valutazioni durante le visite dello studio per controllare il Suo stato di salute.



Informazioni sul farmaco dello studio

Il farmaco dello studio si chiama tarperprumig/ALXN1820. In questo studio è utilizzato solo per scopi di ricerca. ALXN1820 non è ancora stato approvato dalle autorità sanitarie nazionali per il trattamento della vasculite ANCA, e per questo motivo lo studio è importante. I partecipanti saranno assegnati in modo casuale a ricevere ALXN1820 o il placebo.

ALXN1820 agisce su una parte del sistema immunitario chiamata il **sistema del complemento**. ALXN1820 agisce rallentando o disattivando l'attività del sistema del complemento, che può essere responsabile dell'infiammazione dei piccoli vasi sanguigni che causa la vasculite ANCA-associata.



Chi può partecipare?

Lo studio I TRANSCEND sta arruolando presso circa [CCI] centri in [CCI] Paesi. Per essere ammessi/e a partecipare a questo studio, è necessario:

- Avere almeno 18 anni, ma non più di 80 anni
- Presentare una nuova diagnosi di vasculite ANCA-associata con sottotipo GPA o MPA
- Presentare un test positivo per gli anticorpi PR3-ANCA o MPO-ANCA durante la visita di screening

[CCI]

Le persone saranno valutate per determinare la loro idoneità a partecipare. Coloro che sono idonei e decidono di partecipare riceveranno gratuitamente i farmaci dello studio (o il placebo), gli esami medici specifici dello studio e i test di laboratorio specifici dello studio.

Se ha domande sulla partecipazione, parli con il Suo medico per capire se lo studio I TRANSCEND è un'opzione plausibile per Lei